Anemia aplásica (grave)

La anemia aplásica es una enfermedad de la médula ósea. La médula ósea deja de fabricar suficientes glóbulos rojos, glóbulos blancos y plaquetas para el organismo. Las células sanguíneas que fabrica la médula ósea son normales, pero no son suficientes. La anemia aplásica puede ser moderada, grave o muy grave. Las personas con anemia aplásica grave o muy grave corren el riesgo de tener infecciones o hemorragias potencialmente mortales.

Causas, síntomas y diagnóstico

La anemia aplásica es una enfermedad poco frecuente. En los Estados Unidos, aproximadamente entre 500 y 1,000 personas contraen este tipo de anemia cada año. Es de dos a tres veces más frecuente en los países asiáticos. Puede afectar a personas de cualquier edad.

Causas

La médula ósea produce todas las células sanguíneas del organismo:

- Los glóbulos rojos transportan oxígeno a todas las partes de su cuerpo.
- Los glóbulos blancos ayudan al organismo a combatir las infecciones.
- Las plaquetas ayudan a controlar las hemorragias.

Cada célula sanguínea vive una cierta cantidad de días, de modo que el organismo necesita aprovisionarse de ellas constantemente. La médula ósea sana siempre está fabricando células sanguíneas nuevas. Sin embargo, en la anemia aplásica, la médula fabrica una cantidad mucho menor de lo normal de los tres tipos de células sanguíneas. En casos muy graves, la médula puede dejar de fabricar células sanguíneas por completo.

En la mayoría de los casos, los médicos no saben cuál es la causa de la anemia aplásica. En aproximadamente un 20% de los pacientes,

la enfermedad surge a partir de un trastorno hereditario, como la anemia de Fanconi. La anemia aplásica también puede deberse a altas dosis de radiación o a ciertas sustancias químicas o virus. Se ha comprobado que en muchas personas la anemia aplásica es una enfermedad autoinmunitaria. Esto significa que el sistema inmunitario del organismo reacciona contra sí mismo. El sistema inmunitario ataca la médula ósea y le impide fabricar suficientes células sanguíneas.

Síntomas

Los síntomas de la anemia aplásica se deben a la poca cantidad de células sanguíneas. La gravedad de los síntomas de una persona depende de la cantidad de células sanguíneas que tenga.

- Si tiene pocos glóbulos rojos, la persona puede sentirse cansada o débil, tener falta de aire y estar pálida.
- Si tiene pocos glóbulos blancos, puede contraer infecciones frecuentes o graves.
- Si tiene pocas plaquetas, pueden aparecer moretones o sangrar con facilidad, y tener unos diminutos puntos rojos debajo de la piel (llamados petequias) o hemorragias difíciles de parar.

En una persona con anemia aplásica moderada, estos síntomas pueden ser leves o moderados. En una persona con anemia aplásica grave o muy grave, las infecciones o hemorragias pueden ser potencialmente mortales.

Diagnóstico

Para diagnosticar la anemia aplásica, los médicos analizan muestras de sangre y médula ósea. En la anemia aplásica, hay poca cantidad de glóbulos rojos, glóbulos blancos y plaquetas en la sangre. Hay dos tipos de muestras que pueden obtenerse de la médula ósea. En la aspiración se utiliza una aguja para extraer una pequeña cantidad de médula ósea líquida. En la biopsia se usa una aguja especial para retirar un cilindro intacto de médula.

Las aspiraciones y las biopsias generalmente se realizan en la parte posterior del hueso de la cadera.

Las pocas células que aparecen son normales (no son cancerosas). Según la cantidad de células que aparezcan, los médicos diagnostican la enfermedad como anemia aplásica moderada, grave o muy grave. La anemia aplásica moderada a veces se agrava con el tiempo, por lo que los médicos están atentos a si aparecen signos de que la enfermedad está cambiando.

Opciones de tratamiento

Las opciones de tratamiento para la anemia aplásica dependen de cuán grave sea la enfermedad. Una persona con anemia aplásica moderada puede no necesitar ningún tratamiento. Pero los médicos controlarán las cantidades de células sanguíneas con frecuencia para ver si la enfermedad empeora.

Una persona con anemia aplásica grave o muy grave necesita tratamiento cuanto antes. En los casos de anemia aplásica grave y muy grave, las opciones de tratamiento estándar (que se explican más adelante) incluyen:

- Tratamiento sintomático para mantener al paciente estable hasta que se pueda comenzar o surta efecto otro tratamiento
- Tratamiento inmunosupresor con medicamentos que suprimen (debilitan) el sistema inmunitario
- Trasplante de médula ósea o de sangre de cordón (también llamado BMT)

Todos los pacientes con anemia aplásica grave necesitarán tratamiento sintomático, pero los únicos tratamientos que pueden curar la enfermedad o controlarla a largo plazo son el trasplante y el tratamiento inmunosupresor. El trasplante es el tratamiento estándar preferido para muchos pacientes, mientras que el tratamiento inmunosupresor es la primera opción para otros.

Las investigaciones sobre el tratamiento de la anemia aplásica continúan, así que podría haber otras opciones de tratamiento nuevas. Cualquiera que sea el tratamiento que usted y su médico decidan, puede optar por participar en un ensayo clínico. Hasta los tratamientos estándar se siguen estudiando en ensayos clínicos. Estos estudios ayudan a los médicos a mejorar los tratamientos

para que más pacientes puedan lograr mejores resultados.

Tratamiento sintomático: transfusiones de sangre, factores de crecimiento, prevención de infecciones

Los pacientes con anemia aplásica grave o muy grave necesitarán tratamiento sintomático. El tratamiento sintomático, como las transfusiones de sangre, los factores de crecimiento y la prevención de infecciones, no cura la enfermedad. Sin embargo, puede controlar los síntomas hasta que se puedan comenzar otros tratamientos o hasta que estos hagan efecto.

Algunas personas también pueden elegir el tratamiento sintomático como su único tratamiento. Las personas de edad o que tienen otros problemas de salud a veces no pueden tolerar un tratamiento más fuerte. Otras personas sopesan los posibles riesgos y beneficios de las distintas opciones de tratamiento y eligen el tratamiento sintomático. El tratamiento sintomático no ofrece la posibilidad de curar o controlar la anemia aplásica grave a largo plazo, pero sí puede ofrecer una mejor calidad de vida al paciente.

Transfusiones de sangre

Las personas con anemia aplásica grave generalmente necesitan transfusiones de sangre.

- Las transfusiones de plaquetas reducen el riesgo de hemorragias potencialmente mortales causadas por cifras muy bajas de plaquetas.
- Las transfusiones de glóbulos rojos reducen los problemas de intenso cansancio y falta de aire.

Las transfusiones son un tratamiento importante para controlar los síntomas de la anemia aplásica. Si tiene anemia aplásica grave, su médico determinará cuándo necesita transfusiones y controlará los posibles riesgos. Los médicos tratan de administrar la menor cantidad posible de transfusiones a los pacientes con anemia aplásica grave para:

- Limitar la cantidad de hierro que se acumula en el organismo a causa de las transfusiones de glóbulos rojos. Una gran cantidad de hierro en el organismo puede dañar los órganos. Los pacientes que necesitan muchas transfusiones de glóbulos

rojos pueden recibir tratamiento adicional para eliminar el hierro del organismo (tratamiento con quelatos de hierro).

- Reducir los riesgos de que el sistema inmunitario desarrolle anticuerpos (células inmunitarias) que ataquen las plaquetas transfundidas.
- Preparar al paciente para la posibilidad de un trasplante. En los pacientes a quienes se trata con un trasplante, haber recibido muchas transfusiones aumenta los riesgos del trasplante.

Además, es común tratar la sangre con radiación y filtrar los glóbulos blancos de la sangre antes de administrarla en una transfusión. Tomar estas medidas reduce el riesgo de una reacción del sistema inmunitario contra las plaquetas transfundidas y los riesgos de un posible trasplante, además del riesgo de otras complicaciones.

Si hay alguna probabilidad de que el paciente reciba un trasplante, el médico evitará administrar al paciente sangre donada por un familiar. Si después se descubre que ese familiar es un donante apto para un trasplante, el sistema inmunitario del paciente podría reaccionar contra el trasplante.

Factores de crecimiento

Los factores de crecimiento son medicamentos que ayudan al organismo a fabricar más células sanguíneas. A los pacientes con anemia aplásica se les puede dar factores de crecimiento para tratar de reducir la necesidad de transfusiones de glóbulos rojos. Sin embargo, en muchos casos de anemia aplásica, la médula ósea no responde a los factores de crecimiento.

Los factores de crecimiento también pueden administrarse después de un tratamiento inmunosupresor o de un trasplante. En este caso, los factores de crecimiento muchas veces son eficaces. Pueden ayudar a acelerar la producción de células sanguíneas nuevas, reduciendo la necesidad de transfusiones y el riesgo de infecciones.

Prevención de infecciones

Las personas con anemia aplásica grave corren riesgo de contraer infecciones potencialmente mortales. Incluso una infección común, como un resfriado, podría tornarse peligrosa. Para ayudar a prevenir las infecciones, las personas con

anemia aplásica grave necesitan protegerse de los gérmenes. Algunas de las precauciones que deben tomar pueden incluir evitar las muchedumbres y el contacto con personas enfermas. Si tiene anemia aplásica grave, consulte a su médico sobre cómo puede reducir su riesgo de contraer una infección.

Si presenta fiebre u otro signo de infección, ésta se debe tratar rápidamente. El tratamiento más común para prevenir las infecciones son los antibióticos.

Tratamiento inmunosupresor

El tratamiento inmunosupresor es uno de los dos tratamientos estándar que pueden ofrecer al enfermo de anemia aplásica grave una vida más larga. El otro tratamiento, el trasplante, muchas veces se recomienda como el primer tratamiento para los niños y jóvenes que tienen un hermano donante apto. El tratamiento inmunosupresor a menudo se recomienda como el primer tratamiento en pacientes que:

- Tienen más de 40 años, aunque las recomendaciones basadas en la edad varían de un médico a otro y dependen de otros factores del paciente
- No pueden tolerar un trasplante debido a otros problemas de salud o a tener mucha edad
- No cuentan con un donante apto o una unidad de sangre de cordón para el trasplante
- Recibirán un trasplante, pero están esperando que aparezca un donante apto.
- Optan por el tratamiento inmunosupresor después de sopesar los posibles riesgos y beneficios de todas las opciones

El sistema inmunitario está formado por órganos y células que trabajan conjuntamente para proteger el organismo contra las infecciones y las enfermedades. El sistema inmunitario utiliza glóbulos blancos para combatir las infecciones. Los glóbulos blancos marcan y atacan las células que no reconocen como pertenecientes al organismo. El tratamiento inmunosupresor utiliza medicamentos que suprimen (debilitan) el sistema inmunitario. Este tratamiento se basa en la teoría ampliamente aceptada de que la anemia aplásica es el resultado del ataque del sistema inmunitario a la médula ósea. El tratamiento inmunosupresor debilita la respuesta del sistema inmunitario y permite que la médula ósea fabrique más células

sanguíneas. En muchas personas, el tratamiento inmunosupresor consigue llevar el número de células sanguíneas a niveles normales o casi normales y permite la supervivencia a largo plazo.

El tratamiento inmunosupresor tiene pocos riesgos a corto plazo. Sin embargo, las personas muchas veces deben repetir o continuar el tratamiento a largo plazo. El tratamiento también aumenta el riesgo de contraer una segunda enfermedad en el futuro como síndrome mielodisplásico (SMD) o leucemia.

Trasplante de médula ósea o de sangre de cordón (BMT)

Para muchos pacientes con anemia aplásica grave o muy grave, un trasplante de médula ósea o de sangre de cordón es el tratamiento estándar preferido. Un trasplante sustituye las células anormales de la médula ósea por células formadoras de sangre sanas de un familiar, un donante no relacionado o una unidad de sangre de cordón.

El donante para un trasplante debe ser muy compatible con el tipo de tejido del paciente. El mejor donante suele ser un hermano compatible. En el caso de los pacientes que no cuenten con un donante apto en su familia, los médicos pueden ponerse en contacto con el Programa Nacional de Donantes de Médula Ósea para buscar en el Registro Sé el donanteSM un donante compatible o una unidad de sangre de cordón.

Un trasplante puede ofrecer las mayores probabilidades de cura para la anemia aplásica, pero no es una opción para todos los pacientes. El trasplante puede ser una buena opción para los pacientes que cuentan con un donante o una unidad de sangre de cordón compatible y que estén lo suficientemente sanos como para tolerar el trasplante. Los niños y jóvenes suelen obtener mejores resultados que los pacientes de edad, pero los avances en los trasplantes han permitido que más pacientes de edad se sometan a trasplantes con éxito.

Los trasplantes para la anemia aplásica pueden conllevar riesgos serios. Sin embargo, los médicos han desarrollado métodos de tratamiento para hacer frente a estos riesgos y los resultados de los trasplantes han mejorado en la última década.

Un riesgo que es mayor para los pacientes con anemia aplásica que para cualquier otra enfermedad es el rechazo del injerto o el fracaso del injerto (cuando las células trasplantadas no

logran reproducirse y fabricar células sanguíneas para el organismo). El haber recibido muchas transfusiones incrementa el riesgo de rechazo del injerto porque el sistema inmunitario del paciente puede desarrollar anticuerpos que pueden reaccionar contra las células trasplantadas. En la actualidad, los médicos les administran a los pacientes con anemia aplásica la menor cantidad de transfusiones posibles. La sangre transfundida comúnmente también se trata con radiación y se filtra para eliminar los glóbulos blancos. Estas prácticas han mejorado los resultados de los trasplantes.

Otro serio riesgo del trasplante para los pacientes con anemia aplásica es la enfermedad del injerto contra el huésped (EICH). Esta es una complicación común del trasplante que puede ser de leve a grave. En los pacientes que reciben un trasplante para tratar la leucemia u otro cáncer, la EICH puede estar asociada con un efecto beneficioso de injerto contra la leucemia. Sin embargo, la EICH no aporta ningún beneficio para los pacientes con anemia aplásica. Los avances en el tratamiento de la EICH han reducido este riesgo, pero los médicos continúan en busca de mejores tratamientos.

Las opciones de tratamiento

Si usted o su hijo tienen anemia aplásica grave, es importante consultar a un médico que sea un experto en la enfermedad. Si su médico no ha tratado nunca a otros pacientes con anemia aplásica, pídale que lo remita a un experto para una consulta.

Un médico experto en anemia aplásica puede hablar con usted sobre sus opciones de tratamiento y explicarle los posibles riesgos y beneficios. Cualquiera que sea el tratamiento que elijan usted y su médico, usted puede elegir participar en un ensayo clínico. Los ensayos clínicos ayudan a los médicos a obtener conocimientos que pueden mejorar los tratamientos para los pacientes en el futuro. Hasta los tratamientos estándar se siguen estudiando en ensayos clínicos.

Los dos tratamientos estándar, el tratamiento inmunosupresor y el trasplante, tienen índices de supervivencia a largo plazo similares en algunos grupos de pacientes. Ambos tratamientos conllevan posibles riesgos y efectos secundarios:

- Un trasplante conlleva un mayor riesgo de efectos secundarios potencialmente

mortales al principio, pero podría lograr la cura a largo plazo.

- El tratamiento inmunosupresor conlleva menos riesgos al principio, pero la mayoría de los pacientes no se curan y necesitan tratamiento a largo plazo.
- Ambos tratamientos conllevan ciertos riesgos de efectos secundarios o complicaciones a largo plazo.
- Los posibles riesgos y beneficios de estos tratamientos varían de una persona a otra, dependiendo de la edad y de otros factores de salud.

Muchos médicos recomiendan un trasplante a los pacientes menores de 20 años, especialmente los que cuentan con un hermano compatible como donante. Los médicos también recomiendan un trasplante para muchos pacientes de 20 a 40 años de edad que tienen un hermano donante compatible. En el caso de los pacientes mayores de 40 años y aquellos que no tienen un hermano donante compatible, muchos médicos recomiendan probar primero el tratamiento inmunosupresor. Sin embargo, la edad es sólo uno de los factores a tener en cuenta al decidir el tratamiento. Si un paciente no responde al tratamiento inmunosupresor en 3 ó 4 meses, podría ser una opción recurrir a un trasplante

usando un hermano o un donante no relacionado o una unidad de sangre de cordón.

El tiempo que transcurre entre el diagnóstico y el trasplante puede afectar el resultado del trasplante. A fin de mejorar las probabilidades de que el trasplante tenga éxito, usted y su médico pueden planificar con antelación. Una consulta con un médico especialista en trasplantes puede ayudar a determinar si el trasplante es una buena opción en su caso, ya sea como primera opción de tratamiento o como segundo tratamiento si el tratamiento inmunosupresor fracasa.

Incluso si comienza el tratamiento inmunosupresor, su médico puede tomar medidas para prepararlo en caso de que el tratamiento inmunosupresor no logre buenos resultados. Su médico puede averiguar si hay algún donante posible en su familia. También puede buscar en el Registro Sé el donanteSM para ver si encuentra posibles donantes voluntarios no relacionados o unidades de sangre de cordón. De esa manera, si usted y su médico deciden que necesita un trasplante más adelante, ya se habrán dado los primeros pasos de la búsqueda de un donante y podrá avanzar hacia el trasplante con mayor rapidez.

Para obtener más información sobre qué enfermedades se pueden tratar con un trasplante, visite marrow.org/patient.

Disponible en los siguientes idiomas: español, inglés.

El Programa Nacional de Donantes de Médula Ósea (National Marrow Donor Program®, NMDP) ayuda a las personas que, para seguir viviendo, necesitan un trasplante de médula ósea o de sangre de cordón. Ponemos en contacto a pacientes, médicos e investigadores con los recursos que necesitan para ayudar a más personas a vivir más tiempo y tener una vida más saludable. Registro Sé el donanteSM es el nuevo nombre del registro del NMDP. Si no hay un donante compatible en su familia, su médico puede ponerse en contacto con el NMDP para buscar en el Registro Sé el donante y otros registros del mundo en los cuales se puede acceder a más de 12 millones de donantes y 300,000 unidades de sangre de cordón. Además de incrementar el registro, Sé el donante también recluta voluntarios para que colaboren en nuestra misión y recauda fondos a través de la Fundación Sé el donanteSM para ayudar a los pacientes y sus familias.

La Oficina de Apoyo al Paciente (Office of Patient Advocacy, OPA) del NMDP ofrece recursos y servicios para ayudar a los pacientes y sus familias durante el proceso del trasplante. OPA puede ayudarle a:

- Entender sus opciones de tratamiento
- Responder las preguntas que tenga sobre el proceso del trasplante
- Elegir un centro de trasplantes
- Averiguar sobre su cobertura de seguro y sus opciones financieras
- Prepararse para la vida después del trasplante

Además de los materiales impresos y audiovisuales (que se ofrecen en varios idiomas), la OPA cuenta con administradores de casos bilingües (español/inglés) y el servicio de intérpretes LanguageLine a disposición de quienes llaman. Todos los materiales y servicios de la OPA son gratuitos y confidenciales.

Para ponerse en contacto con la Oficina de Apoyo al Paciente:

Llame sin cargo al 1 (888) 999-6743

Fuera de los Estados Unidos, llame al (612) 627-8140

Envíenos un mensaje de correo electrónico a patientinfo@nmdp.org

Visítenos por Internet en marrow.org/patient